



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/227007/2025
EMA/H/C/005772

Zemcelpro (*dorocubicel/ikke-ekspanderede CD34-celler*)

En oversigt over Zemcelpro, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Zemcelpro, og hvad anvendes det til?

Zemcelpro er et stamcellelægemiddel til behandling af voksne med hæmatologiske maligniteter (blodcellekraft), som har behov for allogen hæmatopoietisk stamcelletransplantation (allo-HSCT), og for hvem der ikke findes andre typer egnede donorceller.

Allo-HSCT er en procedure, hvor patientens knoglemarv (svampet væv inde i de store knogler, hvor der produceres blodceller) bliver rensed for celler, som derefter erstattes af celler fra en matchende donor. De transplanterede celler formerer sig og udvikler sig til sunde, specialiserede blod- og immunceller. Zemcelpro gives efter at patienterne har fået forberedende (konditionerende) behandling med kræftlægemidler for at fjerne cellerne fra knoglemarven.

HSCT er en sjælden procedure, og Zemcelpro blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 22. april 2020 til patienter, der har behov for en HSCT. Yderligere information om lægemidler til sjældne sygdomme findes på EMA's [websted](#).

Zemcelpro fremstilles specifikt for hver patient. Det indeholder to typer stamceller fra doneret navlestrengsblod: dorocubicel (ekspanderede CD34+-celler, hvor ekspanderet betyder, at cellerne er blevet dyrket og formeret i laboratoriet) og ikke-ekspanderede CD34-celler.

Hvordan anvendes Zemcelpro?

Zemcelpro fås kun på recept. Det skal gives på et kvalificeret transplantationsafsnit med ekspertise i HSCT af en læge, der har erfaring med behandling af blodkræft.

Zemcelpro gives én gang som en enkeltdosis ved infusion (drop) i en vene. En enkelt dosis af Zemcelpro består af 1-4 infusionsposer, der indeholder dorocubicel, og 4 poser, der indeholder ikke-ekspanderede CD34-celler.

Før og efter behandling med Zemcelpro får patienterne andre lægemidler for at mindske risikoen for reaktioner i forbindelse med infusionen og forhindre komplikationer ved transplantationen.

Hvis du ønsker flere oplysninger om anvendelsen af Zemcelpro, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Hvordan virker Zemcelpro?

Zemcelpro anvendes til behandling af patienter med blodkræft, der har behov for en allo-HSCT, og for hvem der ikke findes andre egnede donorceller.

Navlestrengsceller kan anvendes hos disse patienter, men til nogle patienter findes der ikke noget egnet navlestrengsblod, da det donerede navlestrengsblod indeholder for få stamceller. Et lavt antal stamceller i navlestrengsblod kan forsinke engraftment (når de transplanterede celler begynder at vokse og producere sunde blodceller).

I Zemcelpro dyrkes og formeres nogle af stamcellerne fra navlestrengen i laboratoriet, hvorefter de gives sammen med ikke-ekspanderede celler fra det samme navlestrengsblod. De ekspanderede CD34+-celler fremmer primært væksten af sunde blodceller, mens de ikke-ekspanderede CD34-celler hjælper til med dette og desuden medvirker til at fjerne eventuelle tilbageværende kræftceller. Efter infusionen migrerer stamcellerne fra Zemcelpro til knoglemarven, hvor de formerer sig, modnes og udvikler sig til sunde specialiserede blod- og immunceller.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Zemcelpro?

Fordelene ved Zemcelpro blev påvist i to hovedstudier, der omfattede 25 patienter med høj risiko for leukæmi eller myelodysplasi (typer af blodkræft), som havde behov for en allo-HSCT, og som ikke havde andre typer egnede donorceller til rådighed. I de igangværende studier blev Zemcelpro ikke sammenlignet med anden behandling.

Studierne viste, at det gennemsnitligt tog 20 dage for patienterne at opnå neutrofilengraftment efter at have fået Zemcelpro (når de transplanterede celler begynder at vokse og producere neutrofiler, en type hvide blodlegemer). På dag 42 havde 21 ud af 25 patienter (84 %) opnået engraftment af neutrofile granulocytter.

Desuden opnåede patienterne engraftment af blodplader (når de transplanterede celler begynder at vokse og producere blodplader, som er bestanddele, der hjælper blodet med at størkne) gennemsnitligt 40 dage efter at have fået Zemcelpro. På dag 100 havde 17 ud af 25 patienter (68 %) opnået engraftment af blodplader.

Ovenstående resultater viser, at transplantationen var vellykket, og at der var ved at blive produceret nye blodceller i knoglemarven.

Hvilke risici er der forbundet med Zemcelpro?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Zemcelpro fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Zemcelpro (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) er lymfopeni (lavt antal lymfocytter, en type hvide blodlegemer), infektioner, anæmi (lavt antal røde blodlegemer), neutropeni (lavt antal neutrofiler), trombocytopeni (lavt antal blodplader), leukopeni (lavt antal hvide blodlegemer), hypogammaglobulinæmi (lavt niveau af antistoffer i blodet), febril neutropeni (lavt antal neutrofiler med feber), hypertension (højt blodtryk), engraftment-syndrom (en komplikation ved HSCT med symptomer som feber, udslæt og andre betændelsesreaktioner) og lungebetændelse. Akut graft versus host-sygdom, hvor donorceller angriber kroppen kort tid efter en transplantation, blev indberettet hos 60 % af patienterne, og kronisk graft versus host-sygdom (som normalt udvikler sig senere end akut graft versus host-sygdom inden for flere uger til måneder efter en transplantation) blev indberettet hos 16 % af patienterne.

Bivirkninger, der resulterede i dødsfald, forekom hos ca. 8 % af de patienter, der blev behandlet med Zemcelpro, herunder infektioner, akut GvHD, alveolær blødning i lungerne (en tilstand, hvor der

forekommer blødning i lungernes luftsække), pneumonitis (betændelse i lungerne, såsom idiopatisk lungebetændelsessyndrom og kryptogen organiserende lungebetændelse) og pulmonal hypertension (højt blodtryk i de blodkar, der forsyner lungerne).

Hvorfor er Zemcelpro godkendt i EU?

På godkendelsestidspunktet udgjorde behandling af patienter med blodcellekræft, der havde brug for HSCT, og for hvem der ikke fandtes andre typer egnede donorceller, en klinisk udfordring. Disse patienter havde ingen andre behandlingsmuligheder og minimal chance for at komme sig.

På grundlag af resultaterne fra et lille antal patienter i de igangværende studier var genfinding af neutrofiler og trombocytter efter behandling med Zemcelpro hurtig, robust og vedvarende, hvilket tyder på, at Zemcelpro kan være til gavn for disse patienter. Sikkerheden ved Zemcelpro blev anset for acceptabel hos disse patienter, som på godkendelsestidspunktet ikke havde andre behandlingsmuligheder.

Zemcelpro har fået en betinget godkendelse til anvendelse i EU. Det betyder, at det er blevet godkendt på grundlag af mindre omfattende data, end der normalt kræves, fordi det opfylder et udækket medicinsk behov. Det Europæiske Lægemiddelagentur finder, at fordelene ved at gøre lægemidlet tilgængeligt tidligere opvejer eventuelle risici, der er forbundet med at anvende det, mens der afventes yderligere dokumentation.

Virksomheden skal fremlægge yderligere data om Zemcelpro. Den skal fremlægge de endelige resultater af de to igangværende hovedstudier og af to yderligere studier med Zemcelpro og fremlægge data fra et andet studie baseret på et register over patienter, der er behandlet med Zemcelpro. Hvert år vil agenturet gennemgå alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Zemcelpro anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Zemcelpro anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Zemcelpro løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Zemcelpro vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Zemcelpro

Yderligere information om Zemcelpro findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/zemcelpro